

ORPHAN DRUG DAY

Malattie rare, serve una corsia preferenziale

Standardizzazione dei costi e riduzione dei tempi legati al lavoro dei comitati etici, il tema dell'hospital exemption, programmi "name patient". Sono le tre proposte di lavoro discusse nel corso del primo Orphan drug day, un evento organizzato da Osservatorio Malattie Rare (Omar) e dedicato al tema "Farmaci orfani, ricerca & sviluppo made in Italy", realizzato grazie al contributo non condizionato di Alexion, Biomarin, Celgene, Genzyme, Orphan Europe e Shire.

«In Europa - ha spiegato la senatrice **Laura Bianconi**, vicepresidente del gruppo Ap e coordinatrice dell'evento - le designazioni orfane sono state ben 1.163. C'è dunque ricerca, che però ha tempi particolarmente lunghi e peculiari difficoltà: su 1.163 infatti, solo 93 (8%) hanno a oggi avuto l'Aic. L'altro 92% è ancora per strada, oppure ha tradito le promesse fallendo».

«L'Italia in questo settore è molto attiva - ha aggiunto **Maria Ciancaleoni**, direttore di Omar - e il 20% della sperimentazione clinica nel nostro paese è effettuata con farmaci orfani. Gli ultimi dati Aifa (2014) parlano di ben 117 trial clinici aperti, l'80% circa dei quali è arrivata alla fase II o alla fase III, quelle più vicine al letto del paziente». Ma non mancano le ombre.

Se pure su 93 farmaci con l'Aic il 78% è già a disposizione dei pazienti, dopo aver passato tutto il lungo percorso di prezzo e rimborso con Aifa e l'inserimento nei prontuari regionali, c'è un 22% che sta ancora aspettando la fine di questo iter.

«Difficile sostenere - continua Ciancaleoni - che si tratti di un pro-

blema di costi: stando ai dati del 2013 l'impatto dell'intera classe dei farmaci orfani è stato solo il 4,65% dell'intera spesa farmaceutica».

«Quella che manca, probabilmente - ha spiegato **Emilio Clementi**, Università degli Studi di Milano - è una cultura diffusa intorno a questo tema, e soprattutto uno sviluppo concreto di partnership tra accademia, industria, fondazioni di ricerca e associazioni di pazienti strutturate e durature».

Dal dibattito sono emerse sostanzialmente tre nuove ipotesi di lavoro. Per quanto riguarda i costi, «nella ricerca clinica - ha spiegato **Gianni De Crescenzo**, direttore medico di Celgene - per rendere ancora più attrattivo un Paese che conta grandi individualità ed eccellenti centri di ricerca, possiamo e dobbiamo lavorare sui costi e sui tempi per le autorizzazioni. Oggi un'azienda che voglia fare ricerca deve, tra le spese, sia versare una quota ad Aifa, che al Comitato etico coordinatore, che ai singoli Ce per la revisione dei protocolli di studio. Sarebbe auspicabile un tariffario delle prestazioni comune a tutti i centri di ricerca clinica, così da ridurre i tempi di negoziazione dei contratti». C'è poi il problema di una omogeneità, di una standardizzazione delle procedure dei Ce, delle documentazioni da questi richieste, da una standardizzazione dei moduli dei consensi informati.

Altro fronte caldo è quello delle sperimentazioni cliniche: «Sul piano dell'accesso alle terapie in fase di sperimentazione - spiega **Marcello Allegretti**, direttore scientifico di Dompè - laddove l'arruolamento di un paziente negli studi clinici in corso non sia

possibile, sarebbe necessaria una valutazione specifica del rischio/beneficio per poterne valutare comunque l'accesso al trattamento. Casi di questo tipo dovrebbero essere considerati con grande attenzione dalle Autorità, prima di tutto a tutela dell'interesse del paziente ma anche in considerazione dell'enorme rilevanza che, nel campo delle patologie rare, può avere il dato clinico anche del singolo paziente, se raccolto nell'ambito di una sperimentazione controllata. In questi casi la richiesta di trattamento può essere ricondotta al "named patient basis" secondo cui i medici possono anche

ottenere promettenti medicine per i loro pazienti richiedendone la fornitura all'azienda produttrice per poterli usare per il trattamento dei propri pazienti sotto la propria responsabilità».

Sempre in un'ottica di medicina personalizzata è stato affrontato il tema dell'hospital exemption, per la quale servirebbe una più chiara gestione a livello europeo. «L'esperienza clinica in hospital exemption - spiega **Andrea Chiesi**, Direttore R&D Portfolio Management di Chiesi e Ceo Holostem Terapie Avanzate - non è raccolta in studi formalizzati con dati interpretabili, lasciando lacune informative potenzialmente pericolose e impedendo la transizione verso uno sviluppo metodologicamente corretto. I sistemi di farmacovigilanza sono incerti e non sempre consentono la gestione del profilo di sicurezza e attività dei nuovi farmaci. Inoltre l'incertezza dell'ambiente nel lungo periodo scoraggia ulteriori investimenti nel settore».

© RIPRODUZIONE RISERVATA

